

FDA tilldelar efanesoctocog alfa genombrottsstatus för hemofili A

Efanesoctocog alfa är den första faktor VIII-behandling som tilldelats genombrottsstatus (Breakthrough Therapy designation) av den amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA

Beslutet baseras på data från fas-3 studien XTEND-1 som visar kliniskt meningsfull blödningsprevention samt överlägsen blödningsprevention jämfört med tidigare profylaktisk faktorbehandling

Efanesoctocog alfa är en ny faktor VIII-behandling under klinisk utveckling utformad för att ge normala till nära-normala faktornivåer under större delen av veckan vid veckovis profylaktisk behandling

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi®) (STO: SOBI) och Sanofi (EURONEXT: SAN och NASDAQ: SNY) meddelade idag att den amerikanska läkemedelsmyndigheten (FDA) tilldelat efanesoctocog alfa (BIVV001) genombrottsstatus, baserat på data från den pivotala fas-3 studien XTEND-1, för behandling av personer med hemofili A, en sällsynt och livshotande blödningsrubbing. Sanofi och Sobi samarbetar kring utveckling och kommersialisering av efanesoctocog alfa.

Genombrottsstatus (Breakthrough Therapy designation) syftar till att påskynda utvecklingen och granskningen av läkemedel i USA som är inriktade på allvarliga eller livshotande tillstånd. För att erhålla denna status måste läkemedlet visa preliminära kliniska bevis på avsevärd förbättring av kliniskt betydelsefulla effektmått jämfört med tillgängliga behandlingar.

"Att efanesoctocog alfa tilldelats genombrottsstatus framhåller dess potential att transformera behandlingen för människor som lever med hemofili A genom att ge förstärkt blödningskydd under längre tid", säger John Reed, MD, PhD Global Head of Research and Development på Sanofi. "Denna potentiellt nya läkemedelsklass av faktor VIII-terapi vittnar om hur vi kraftfullt driver forskningen framåt för att tillgodose medicinska behov hos människor som lever med hemofili. Vi ser fram emot att samarbeta med tillsynsmyndigheter under granskningen av ansökan för denna innovativa behandling."

"Tilldelandet av denna status ger stöd för efanesoctocog alfas innovation och bekräftar dess potential att adressera resterande medicinskt behov hos personer som lever med hemofili A", säger Anders Ullman, MD, PhD, Head of Research & Development och Chief Medical Officer på Sobi. "Vi är fast beslutna att förändra livet för människor som lever med sällsynta sjukdomar, och detta är ett bevis på hur forskning kan skapa medicinsk innovation."

Topline-resultat från den pivotala fas 3-studien XTEND-1 visade att efanesoctocog alfa uppnådde det primära effektmåttet, kliniskt meningsfull blödningsprevention hos personer med svår hemofili A under en period på 52 veckor. Viktigt är även att det huvudsakliga sekundära effektmåttet uppnåddes, vilket visade att efanesoctocog alfa var överlägsen i att förhindra blödningar jämfört med tidigare profylaktisk FVIII-behandling baserat på en intra-patient jämförelse. Efanesoctocog alfa tolererades väl, och inga neutraliserande antikroppar mot faktor VIII observerades. De vanligast förekommande rapporterade misstänkte biverkningarna (>5 procent av alla deltagare) var huvudvärk, ledsmärta, fallolyckor och ryggsmärta.

Data från fas 3-studien XTEND-1 förväntas presenteras vid en kommande medicinsk kongress och kommer att ligga till grund för regulatorisk ansökan till FDA under mitten av 2022. Efanesoctocog alfa beviljades säriläkemedelsstatus av FDA i augusti 2017 och påskyndat förfarande, s.k. Fast Track-status, i februari 2021. EU-kommissionen beviljade efanesoctocog alfa säriläkemedelsstatus i juni 2019, och regulatorisk ansökan i EU kommer att ske när resultat som förväntas under 2023 från den pågående pediatrika studien XTEND-Kids tillgängliggjorts.

Hemofili A förekommer hos ungefär en av 5 000 födda pojkar per år och mer sällan hos kvinnor. Det är ett livslångt tillstånd som gör att blodets koagulationsförmåga är nedsatt på grund av brist på koagulationsfaktorer. Personer med hemofili A upplever blödningar som kan vara smärtsamma, ge upphov till bestående ledsador, och som i vissa fall kan vara livshotande. Stora medicinska behov kvarstår inom hemofili, för att stärka skyddet, minska behandlingsbördan och förbättra livskvaliteten för personer som lever med hemofili.

Om efanesoctocog alfa (BIVV001)

Efanesoctocog alfa är ett nytt prövningsläkemedel med rekombinant faktor VIII (FVIII) som syftar till att förlänga blödningsskyddet för personer med hemofili A genom profylaktisk dosering en gång i veckan. Det bygger på Fc-fusionsteknik genom att lägga till en del av von Willebrandfaktorn och XTEN® polypeptider för att potentiellt förlänga faktor VIII-molekylens cirkulationstid i kroppen. Det är den första FVIII-behandlingen under klinisk utveckling som kunnat bryta igenom det så kallade von Willebrandfaktortaket som begränsar halveringstiden hos nuvarande FVIII-terapi. Efanesoctocog alfa är för närvarande under klinisk prövning och dess säkerhet och effekt har inte utvärderats av någon tillsynsmyndighet.

Om Sobi och Sanofis samarbete

Sobi och Sanofi samarbetar kring utvecklingen och kommersialiseringen av Alprolix® och Elocta®/Eloctate®. Bolagen samarbetar även kring utveckling och kommersialisering av efanesoctocog alfa, en faktor VIII-ersättningsterapi under utveckling och som med veckovis dosering har potential att ge personer med hemofili A långvarigt höga faktoraktivitetsnivåer. Sobi äger slutliga utvecklings- och kommersialiseringsrättigheter på sina territorier (huvudsakligen Europa, Nordafrika, Ryssland och de flesta marknader i Mellanöstern). Sanofi äger slutliga utvecklings- och kommersialiseringsrättigheter i Nordamerika och övriga regioner i världen, förutom Sobis territorier.

Om Sanofi

Sanofi är ett globalt läkemedelsföretag som genom sin innovation strävar efter att uppnå vetenskapliga mirakel för att förbättra människors liv. Med medarbetare i över 100 länder arbetar de för att transformera läkemedelsbehandling och därmed göra det som tidigare var omöjligt möjligt. De skapar läkemedelsbehandlingar och vacciner som förbättrar och räddar miljontals liv världen över, med hållbarhet och socialt ansvarstagande i fokus. Sanofi är noterat på Euronext: SAN och NASDAQ: SNY.

Sobi®

Sobi är ett specialiserat, internationellt biofarmaceutiskt företag som gör betydande skillnad för människor som lever med sällsynta sjukdomar. Sobi tillhandahåller innovativa behandlingar inom hematologi, immunologi och nischindikationer, och har cirka 1 600 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern och Asien. Sobis intäkter för 2021 uppgick till 15,5 miljarder SEK. Aktien (STO: SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Mer om Sobi på sobi.com, LinkedIn och YouTube.

Kontakter - Sobi

För kontaktuppgifter till Sobis klicka [här](#) respektive media, klicka [här](#).

Kontakter - Sanofi

Kontaktuppgifter till Media Relations, klicka [här](#) respektive kontaktuppgifter till Investor Relations, klicka [här](#).